

Sebetalstat (hereditäres Angioödem)

Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

DOSSIERBEWERTUNG



Projekt: G25-30

Version: 1.0

Stand: 13.01.2026

IQWiG-Berichte – Nr. 2171

DOI: 10.60584/G25-30

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Sebetalstat (hereditäres Angioödem) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

14.10.2025

Interne Projektnummer

G25-30

DOI-URL

<https://doi.org/10.60584/G25-30>

Anschrift des Herausgebers

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
Siegburger Str. 237
50679 Köln

Tel.: +49 221 35685-0

Fax: +49 221 35685-1

E-Mail: info@iqwig.de

Internet: www.iqwig.de

ISSN: 1864-2500

Zitiervorschlag

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Sebetalstat (hereditäres Angioödem); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2026 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://doi.org/10.60584/G25-30>.

Schlagwörter

Sebetalstat, Angioödem – Hereditäres, Adoleszent, Erwachsener, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords

Sebetalstat, Angioedemas – Hereditary, Adolescent, Adult, Health Care Costs, Epidemiology

Medizinisch-fachliche Beratung

Für die vorliegende Dossierbewertung stand keine Beraterin / kein Berater zu medizinisch-fachlichen Fragen zur Verfügung.

An der Dossierbewertung beteiligte Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG

- Tobias Effertz
- Nadia Abu Rajab-Conrads
- Judith Kratel
- Anja Schwalm

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	v
Abkürzungsverzeichnis.....	vi
1 Hintergrund.....	1
1.1 Anwendungsgebiet.....	1
1.2 Verlauf des Projekts.....	1
1.3 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs	2
2 Nutzenbewertung und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung.....	3
3 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie	4
3.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2).....	4
3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation.....	4
3.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	4
3.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU	4
3.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU.....	6
3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten	7
3.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung	8
3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)....	8
3.2.1 Behandlungsdauer.....	8
3.2.2 Verbrauch	8
3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels	9
3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	9
3.2.5 Jahrestherapiekosten	9
3.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung.....	10
3.2.7 Versorgungsanteile.....	11
3.3 Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen (Modul 3 A, Abschnitt 3.6)	12
4 Literatur	13

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	4
Tabelle 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	8
Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 HAE-Attacke	10

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
HAE	Hereditäres Angioödem
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch
STROSA	Standardisierte Berichtsroutine für Sekundärdatenanalysen

1 Hintergrund

1.1 Anwendungsgebiet

Sebetalstat wird angewendet zur symptomatischen Behandlung von akuten Attacken eines hereditären Angioödems (HAE) bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren.

1.2 Verlauf des Projekts

Sebetalstat ist ein sogenanntes Orphan Drug, also ein Arzneimittel, das zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen¹ ist. Für Orphan Drugs gilt nach § 35a Abs. 1 Satz 11 Sozialgesetzbuch (SGB) V der medizinische Zusatznutzen bereits durch die Zulassung als belegt.

Daher beauftragte der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG), das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers (pU) allein im Hinblick auf die folgenden Angaben zu bewerten:

- Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV)
- Kosten der Therapie für die GKV
- Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V

Das Dossier wurde dem IQWiG am 14.10.2025 übermittelt.

Für die vorliegende Bewertung war die Einbindung einer / eines externen Sachverständigen (einer Beraterin oder eines Beraters zu medizinisch-fachlichen Fragen) vorgesehen. Diese Beratung sollte die schriftliche Beantwortung von Fragen zu den Themenbereichen Krankheitsbild / Krankheitsfolgen, Therapieziele, Patientinnen und Patienten im deutschen Versorgungsalltag, Therapieoptionen, therapeutischer Bedarf und Stand der medizinischen Praxis beinhalten. Darüber hinaus sollte bei Bedarf eine Einbindung im Projektverlauf zu weiteren spezifischen Fragen erfolgen. Allerdings konnten keine externen Sachverständigen, die die notwendigen Voraussetzungen (fachlich-klinische und -wissenschaftliche Expertise, keine gravierenden Interessenkonflikte, kurzfristige zeitliche Verfügbarkeit) erfüllen, über die vorgesehenen Prozesse identifiziert werden.

¹ nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16.12.1999 über Arzneimittel für seltene Leiden

Bei Abschnittsverweisen, die sich auf Abschnitte im Dossier des pU beziehen, ist zusätzlich das betroffene Modul des Dossiers angegeben. Abschnittsverweise ohne Angabe eines Moduls beziehen sich auf den vorliegenden Bericht.

Die Verantwortung für die vorliegende Bewertung und für das Bewertungsergebnis liegt ausschließlich beim IQWiG. Die Bewertung wird zur Veröffentlichung an den G-BA übermittelt, der ein Stellungnahmeverfahren durchführt. Über die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation sowie über die Kosten der Therapie für die GKV beschließt der G-BA.

1.3 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs

Die vorliegende Dossierbewertung ist Teil des Gesamtverfahrens zur frühen Nutzenbewertung von Orphan Drugs. Sie wird gemeinsam mit dem Dossier des pU (Module 1 bis 4) und der Bewertung des Ausmaßes des gesetzlich zu unterstellenden Zusatznutzens durch den G-BA auf der Website des G-BA veröffentlicht. Im Anschluss daran führt der G-BA ein Stellungnahmeverfahren durch. Der G-BA trifft seinen Beschluss zur frühen Nutzenbewertung nach Abschluss des Stellungnahmeverfahrens. Durch den Beschluss des G-BA werden ggf. die in der Dossierbewertung dargestellten Informationen ergänzt.

Weitere Informationen zum Stellungnahmeverfahren und zur Beschlussfassung des G-BA sowie das Dossier (Module 1 bis 4) des pU finden sich auf der Website des G-BA (www.g-ba.de).

2 Nutzenbewertung und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

Das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet. Ggf. werden vom G-BA außerdem Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung adressiert. Aus diesen Gründen sind die Bewertung des Zusatznutzens und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung nicht Gegenstand dieses Berichts.

3 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie

3.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2)

Die Angaben des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.2) des Dossiers.

3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation

Das hereditäre Angioödem (HAE) stellt der pU nachvollziehbar und plausibel dar.

Die Zielpopulation charakterisiert der pU korrekt gemäß der Fachinformation von Sebetalstat [1]. Demnach wird Sebetalstat angewendet zur symptomatischen Behandlung von akuten Attacken eines HAE bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren.

3.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

3.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU

Der pU schätzt die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation über mehrere Schritte, die in Tabelle 1 zusammengefasst dargestellt sind und anschließend beschrieben werden.

Tabelle 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Schritt	Vorgehen des pU	Anteil	Ergebnis (Patientenzahl) ^{a, b}
Ausgangsbasis	Bevölkerungszahl der Personen ab 12 Jahren in Deutschland im Jahr 2023	–	75 060 131
1	Patientinnen und Patienten mit HAE	1,5 bis 1,72 pro 100 000	1126–1291
2	Patientinnen und Patienten in der GKV	87,7 %	987–1132

a. Angaben des pU
b. Die Angaben sind gerundet.

GKV: gesetzliche Krankenversicherung; HAE: hereditäres Angioödem; pU: pharmazeutischer Unternehmer

Ausgangsbasis: Bevölkerungszahl der Personen ab 12 Jahren in Deutschland im Jahr 2023

Als Ausgangsbasis seiner Herleitung entnimmt der pU der Fortschreibung des Bevölkerungsstandes des Statistischen Bundesamtes [2] zum 31.12.2023 eine Bevölkerungszahl von 75 060 131 Personen ab 12 Jahren.

Schritt 1: Patientinnen und Patienten mit HAE

Der pU legt für das Vorliegen einer HAE eine Prävalenzspanne von 1,5 bis 1,72 pro 100 000 Personen fest.

Die Untergrenze entnimmt der pU einem Review von Aygören-Pürsün et al. aus dem Jahr 2018 [3], das u. a. bereits im Verfahren zu Berotralstat in einem ähnlichen Anwendungsgebiet aus dem Jahr 2021 [4] herangezogen wurde. In diesem werden Prävalenzraten zum HAE aus Dänemark, Griechenland, Italien, Norwegen, Schweden und Spanien berichtet. Auf Basis der Angaben dieser einzelnen populationsbasierten epidemiologischen Untersuchungen, wird in dem Review zusammenfassend für das HAE eine Prävalenzrate von 1,5 pro 100 000 Personen angegeben, die der pU als Untergrenze ansetzt.

Für die Obergrenze zieht der pU eine Routinedatenanalyse auf Grundlage der IQVIA-LRx-Datenbank heran [5]. Der Quelle zufolge enthält die Datenbank anonymisierte patientenbezogene Verordnungsinformationen, die laut pU eine repräsentative Stichprobe darstellen, die 80 % aller zulasten der GKV eingereichten und abgerechneten Verordnungen abdeckt. Im Rahmen der Analyse wurden von November 2022 bis Oktober 2024 abgerechneten Verordnungen von solchen Wirkstoffen berücksichtigt, die zur Behandlung von akuten HAE-Attacken eingesetzt werden. Hierzu wurden die folgenden Wirkstoffe selektiert:

- C1-Esterase-Inhibitor, Icatibant, Conestat Alfa

Da die verfügbaren C1-Esterase-Inhibitoren sowohl für die Akutbehandlung als auch für die Routineprophylaxe zugelassen sind [6-8], wurden die Annahmen getroffen, dass

- 1. die Verordnungen von intravenösem [6] bzw. subkutanem [7] C1-Esterase-Inhibitoren dann der HAE-Akutbehandlung zuzuordnen sind, wenn die verordnete Wirkstoffstärke kleiner als 2000 mg ist und
- 2. die Verordnungen des intravenösen [8] C1-Esterase-Inhibitors dann der HAE-Akutbehandlung zugeordnet wird, wenn die durchschnittliche Anzahl an Durchstechflaschen pro Monat bei 8 oder weniger Durchstechflaschen liegt.

Auf dieser Basis wurde eine Anzahl von 1280 Patientinnen und Patienten in der GKV bestimmt, die im Jahr 2023 eine Verordnung eines Präparates für eine Akutbehandlung von HAE-Attacken erhalten haben. Unter Berücksichtigung eines GKV-Anteils von 87,7 % [2,9] rechnet der pU die Anzahl von 1280 Patientinnen und Patienten in der GKV auf die Gesamtzahl in Deutschland hoch und weist hierfür eine Anzahl von 1460 Patientinnen und Patienten mit HAE unter einer Akutbehandlung aus. Der pU setzt diese Anzahl ins Verhältnis zur Gesamtbevölkerung in Deutschland im Jahr 2023 (N = 84 669 326) [2] und ermittelt eine Prävalenzrate von 1,72 pro 100 000 Personen.

Der pU überträgt die Prävalenzspanne auf die Ausgangsbasis und ermittelt 1126 bis 1291 Patientinnen und Patienten mit HAE.

Schritt 2: Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Unter Berücksichtigung eines erwarteten GKV-Anteils unter den Betroffenen von 87,7 % [2,9] ermittelt der pU eine Anzahl von 987 bis 1132 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.

3.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU

Die Angaben des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation sind größtenteils rechnerisch nachvollziehbar. Die Untergrenze liegt trotz Unsicherheiten im Abgleich mit der vorliegenden Literatur in einer plausiblen Größenordnung. Die Obergrenze ist tendenziell unterschätzt. Maßgebliche Gründe für diese Bewertung werden im Folgenden dargestellt.

Zu Schritt 1: Patientinnen und Patienten mit HAE

Der pU zieht als Untergrenze eine übergeordnete Prävalenzrate des HAE aus dem Review von Aygören-Pürsün et al. (2018) [3] heran. Wie bereits im Nutzenbewertungsverfahren zu Berotralstat (routinemäßige Prävention wiederkehrender Attacken des HAE) thematisiert [4], ist nicht abschließend nachvollziehbar, wie die Autorinnen und Autoren auf diese Prävalenzangabe schließen. Unter Berücksichtigung weiterer Literaturangaben aus Schweden (1,54 pro 100 000) [10] und Österreich (1,55 pro 100 000) [11] erscheint die vom pU zugrunde gelegte Prävalenzrate allerdings in einer plausiblen Größenordnung. Es ist jedoch darauf hinzuweisen, dass die Autorinnen und Autoren in der Übersichtsarbeit von Aygören-Pürsün et al. (2018) [3] zu mehreren Prävalenzen aus den beteiligten Ländern anmerken, dass diese im Sinne einer minimalen Prävalenz anzusehen seien.

Bezüglich der Obergrenze bleibt unklar, wie im Rahmen der Routinedatenanalyse die Patientenzahl im Jahr 2023 ermittelt wurde, da das Selektionskonzept teilweise nicht nachvollziehbar ist. Insgesamt wird für eine transparente Darstellung von Routinedatenanalysen eine Orientierung an Berichtsstandards wie z. B. der standardisierten Berichtsroutine für Sekundärdatenanalysen (STROSA) empfohlen [12]. Laut Fachinformation von Sebetalstat [1] sind vom Anwendungsgebiet alle Patientinnen und Patienten zur Behandlung akuter Attacken des HAE umfasst, unabhängig davon, ob sie zusätzlich eine Prophylaxebehandlung bekommen. Der pU selektiert u. a. Wirkstoffe, die sowohl für eine Prophylaxe- als auch eine Akutbehandlung zugelassen sind und weist deren Verordnungen anhand einer festgelegten Grenze einer Akut- oder Prophylaxebehandlung zu. Dadurch können Patientinnen und Patienten unberücksichtigt bleiben, deren dokumentierte Verordnungen einer Prophylaxebehandlung zugewiesen wurden, obwohl sie darüber hinaus denselben Wirkstoff auch für

eine Akutbehandlung erhielten. Dies führt trotz Unsicherheiten zu einer tendenziellen Unterschätzung der Obergrenze.

Einordnung im Vergleich zu bisherigen Verfahren

Für die vorliegende zu betrachtende Patientenpopulation stehen 3 frühere Verfahren aus den Jahren 2021 und 2025 zur Routineprophylaxe des HAE zur Verfügung, in denen die Prävalenzherleitung des HAE für das vorliegende Verfahren zum Abgleich einbezogen werden können: die Verfahren zu Lanadelumab [13,14], Berotralstat [4,15] und Garadacimab [16,17].

In den Verfahren zu Lanadelumab aus dem Jahr 2021 [13,14] und Garadacimab aus dem Jahr 2025 [16,17] wurden die Patientinnen und Patienten mit HAE über eine Prävalenzspanne von 1,07 bis 1,92 pro 100 000 Personen bestimmt. Die Untergrenze bezieht sich lediglich auf die Prävalenz aus Griechenland aus der oben erwähnten Übersichtsarbeit von Aygören-Pürsün et al. (2018) [3]; die Obergrenze basiert auf einer Expertenbefragung. Die Spanne wurde als mit Unsicherheit behaftet beurteilt, da die Übertragbarkeit der Untergrenze auf den deutschen Versorgungskontext unklar ist und in der Obergrenze keine Begründung für die Experteneinschätzung existiert [13,17].

Im Abgleich mit dem Verfahren zu Berotralstat aus dem Jahr 2021 [4,15] wurden die Patientinnen und Patienten mit HAE über eine Prävalenzspanne von 1,5 bis 1,9 pro 100 000 Personen bestimmt. Die Untergrenze basiert wie im vorliegenden Verfahren auf der länderübergreifenden Rate von Aygören-Pürsün et al. (2018) [3] (siehe Abschnitte 3.1.2.1 und 3.1.2.2). Die Obergrenze beruhte auf einer Routinedatenanalyse mit Verordnungsdaten aus dem Jahr 2020 und umfasste Patientinnen und Patienten mit mindestens 1 ambulanten Verordnung der für HAE indizierten Arzneimittel (zugelassen für akute HAE-Attacken und zur routinemäßigen Prophylaxe). In der Dossierbewertung [4] wurde zum einen auf Unsicherheit, u. a. aufgrund fehlender Angaben zur Datenbasis, und zum anderen auf potenziell fehlende Patientinnen und Patienten mit Verordnung von Tranexamsäure verwiesen. Insgesamt ist die im Verfahren zu Berotralstat [4,15] angewendete Prävalenzspanne von 1,5 bis 1,9 pro 100 000 Personen trotz Unsicherheiten jedoch vorzuziehen, da die dort vorgelegte Routinedatenanalyse sowohl Patientinnen und Patienten mit HAE und einer Akutbehandlung als auch solche mit Routineprophylaxe und zusätzlichen akuten Attacken.

3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten

Der pU gibt an, dass er keine Studie zur zeitlichen Entwicklung der Prävalenz und / oder Inzidenz des HAE identifizieren konnte. Insgesamt geht er von einer gleichbleibenden Prävalenz und Inzidenz des HAE aus. Auf Basis einer geringfügig steigenden Bevölkerungsanzahl der Personen ab 12 Jahren in Deutschland gemäß der Vorausberechnung des Bevölkerungsstands des Statistischen Bundesamtes [2], weist der pU leicht ansteigende Patientenzahlen aus.

3.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung

Tabelle 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Anzahl der Patientinnen und Patienten ^a	Kommentar
Sebetalstat	Erwachsene und Jugendliche ab 12 Jahren zur symptomatischen Behandlung von akuten Attacken eines HAE	987–1132	Die Untergrenze liegt trotz Unsicherheiten im Abgleich mit der vorliegenden Literatur in einer plausiblen Größenordnung. Die Obergrenze ist tendenziell unterschätzt.

a. Angabe des pU
GKV: gesetzliche Krankenversicherung; HAE: hereditäres Angioödem; pU: pharmazeutischer Unternehmer

3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)

Die Angaben des pU zu den Kosten der Therapie für die GKV befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.3) des Dossiers.

3.2.1 Behandlungsdauer

Der pU gibt an, dass die Anzahl der Behandlungen pro Patientin bzw. Patient pro Jahr aufgrund der hohen Variabilität des Auftretens von HAE-Attacken innerhalb der Patientenpopulation patientenindividuell unterschiedlich sei. Aus diesem Grund liefert er für die Akutbehandlung Angaben für 1 HAE-Attacke.

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer von Sebetalstat entsprechen für 1 HAE-Attacke der Fachinformation [1]. Die Anzahl der Attacken und somit auch der Behandlungstage ist patientenindividuell unterschiedlich.

3.2.2 Verbrauch

Die Angaben des pU entsprechen der Fachinformation [1]. Demnach wird bei 1 HAE-Attacke 1 Filmtablette mit 300 mg Sebetalstat verabreicht. Gemäß Fachinformation [1] kann bei nicht ausreichendem Ansprechen oder sich verschlimmernden oder zurückkehrenden Symptomen die Dosis durch eine 1-malige erneute Gabe erhöht werden. Dabei dürfen laut Fachinformation [1] nicht mehr als 2 Dosen innerhalb von 24 Stunden eingenommen werden. Unter Berücksichtigung dieser Angabe kann ein höherer Verbrauch pro Attacke anfallen als vom pU ausgewiesen.

3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Die Angaben des pU zu den Kosten von Sebetalstat geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe vom 15.10.2025, der erstmaligen Listung, wieder. Der pU setzt die Kosten für 1 Tablette pro HAE-Attacke an.

3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU gibt an, dass keine Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen bei der Gabe von Sebetalstat anfallen. Dies entspricht den Angaben der Fachinformation [1].

3.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU ermittelt für Sebetalstat Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 2783,00 €. Diese beinhalten ausschließlich Arzneimittelkosten, die laut pU im Rahmen 1 HAE-Attacke zu je 1 Tablette (siehe Abschnitt 3.2.2) entstehen. Die Kosten für 1 HAE-Attacke sind nachvollziehbar. Darüber hinaus sind die Jahrestherapiekosten patientenindividuell unterschiedlich.

3.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung

Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 HAE-Attacke

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Arzneimittelkosten in € ^a	Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen in € ^a	Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe) in € ^a	Jahrestherapiekosten in € ^a	Kommentar
Sebetalstat	Erwachsene und Jugendliche ab 12 Jahren zur symptomatischen Behandlung von akuten Attacken eines HAE	2783,00	0	0	2783,00	Die Kosten für 1 HAE-Attacke sind nachvollziehbar. Die Jahrestherapiekosten sind jedoch patientenindividuell unterschiedlich.

a. Angabe des pU basierend auf 1 HAE-Attacke zu je 1 Tablette.
GKV: gesetzliche Krankenversicherung; HAE: hereditäres Angioödem; pU: pharmazeutischer Unternehmer

3.2.7 Versorgungsanteile

Der pU erwähnt Überempfindlichkeiten gegen den Wirkstoff oder sonstige Bestandteile des Arzneimittels als Kontraindikationen. Weitere Angaben hierzu macht er nicht. Der pU erwähnt weiterhin, dass es im Rahmen der Zulassungsstudie zu keinem Studienabbruch nach Behandlung mit Sebetalstat kam. Der pU geht davon aus, dass die Versorgung regelhaft im ambulanten Sektor erfolgt.

3.3 Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen (Modul 3 A, Abschnitt 3.6)

Die Angaben des pU zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an den klinischen Prüfungen zu dem Arzneimittel, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V teilgenommen haben, befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.6) des Dossiers.

Der pU gibt den Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V mit 7,39 % an. Diese Angabe ist plausibel.

4 Literatur

Das Literaturverzeichnis enthält Zitate des pU, in denen ggf. bibliografische Angaben fehlen.

1. KalVista Pharmaceuticals. Ekterly 300 mg Filmtabletten. 2025.
2. Statistisches Bundesamt. Fortschreibung des Bevölkerungsstandes [online]. 2024 [Zugriff: 12.12.2024]. URL: <https://www-genesis.destatis.de/datenbank/online/statistic/12411/table/12411-0005>.
3. Aygören-Pürsün E, Magerl M, Maetzel A et al. Epidemiology of Bradykinin-mediated angioedema: a systematic investigation of epidemiological studies. *Orphanet J Rare Dis* 2018; 13(1): 73. <https://doi.org/10.1186/s13023-018-0815-5>.
4. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Berotralstat (hereditäres Angioödem) – Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V; Dossierbewertung [online]. 2021 [Zugriff: 11.07.2023]. URL: https://www.iqwig.de/download/a21-80_berotralstat_nutzenbewertung-35a-sgb-v_v1-0.pdf.
5. Iqvia. Analysis on HAE therapies [unveröffentlicht]. 2025.
6. CSL Behring. BERINERT 500/1500 [online]. 03.2024 [Zugriff: 23.12.2025]. URL: <https://www.fachinfo.de>.
7. CSL Behring. Berinert 2000 2000 I.E. Pulver und Lösungsmittel zur Herstellung einer Injektionslösung zur subkutanen Anwendung | Berinert 3000 3000 I.E. Pulver und Lösungsmittel zur Herstellung einer Injektionslösung zur subkutanen Anwendung [online]. 03.2024 [Zugriff: 23.12.2025]. URL: <https://www.fachinfo.de>.
8. Takeda. Cinryze 500 I.E. Pulver und Lösungsmittel zur Herstellung einer Injektionslösung [online]. 05.2025 [Zugriff: 23.12.2025]. URL: <https://www.fachinfo.de>.
9. Bundesministerium für Gesundheit. Kennzahlen der Gesetzlichen Krankenversicherung 2011 bis 2024 [online]. 2024 [Zugriff: 12.12.2024]. URL: https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3_Downloads/Statistiken/GKV/Kennzahlen_Daten/KF2024Bund_August_2024.pdf.
10. Nordenfelt P, Nilsson M, Björkander J et al. Hereditary Angioedema in Swedish Adults: Report From the National Cohort. *Acta Derm Venereol* 2015; 96(4): 540-545. <https://doi.org/10.2340/00015555-2274>.
11. Schöffl C, Wiednig M, Koch L et al. Hereditary angioedema in Austria: prevalence and regional peculiarities. *J Dtsch Dermatol Ges* 2019; 17(4): 416-423. <https://doi.org/10.1111/ddg.13815>.

12. Swart E, Bitzer EM, Gothe H et al. STandardisierte BerichtsROutine für Sekundärdaten Analysen (STROSA) – ein konsentierter Berichtsstandard für Deutschland, Version 2. *Gesundheitswesen* 2016; 78(Suppl 1): e145-e160. <https://doi.org/10.1055/s-0042-108647>.
13. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Lanadelumab (hereditäres Angioödem) – Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V; Dossierbewertung [online]. 2021 [Zugriff: 11.07.2023]. URL: https://www.iqwig.de/download/a21-63_lanadelumab_nutzenbewertung-35a-sgb-v_v1-0.pdf.
14. Takeda. Lanadelumab (Takhzyro); Dossier zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V [online]. 2021 [Zugriff: 23.12.2025]. URL: <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/688/#dossier>.
15. BioCryst. Berotralstat (ORLADEYO); Dossier zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V [online]. 2021 [Zugriff: 23.12.2025]. URL: <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/705/#dossier>.
16. CSL Behring. Garadacimab (Andembry); Dossier zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V [online]. 2025 [Zugriff: 10.06.2025]. URL: <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/1190/#dossier>.
17. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Garadacimab (hereditäres Angioödem); Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V; Dossierbewertung [online]. 2025 [Zugriff: 02.06.2025]. URL: <https://doi.org/10.60584/A25-41>.